

STEM WARS, ATTO I

INTERVISTA ESCLUSIVA PER
ASAMSI AL DR. VILLANOVA SUL
PRIMO SIMPOSIO INTERNAZIONALE
DEDICATO ALLE CELLULE
STAMINALI MESENCHIMALI E
MALATTIE NEURODEGENERATIVE.

EDITORIALE

Elisa Vavassori

Ci accingiamo a iniziare l'estate tardiva con tante aspettative e speranze nel cuore. Lo scorso 24 maggio, infatti, la FDA americana ha approvato la prima terapia genica per la SMA.

Un grande traguardo, che si va ad aggiungere agli altri importanti traguardi raggiunti in questi anni. Tantissime sono le sperimentazioni in corso e una terapia è già fruibile per tutti da oltre un anno: questo ci fa sperare in un futuro in cui la SMA potrà finalmente essere debellata o quantomeno arginata.

Oltre al filone farmaceutico il nostro direttore scientifico, il dr. Villanova, ha organizzato il primo simposio internazionale dedicato alle terapie cellulari applicate alle malattie neurodegenerative. Un evento che ha riscosso un enorme successo, con oltre 200 partecipanti e relatori di fama internazionale che da anni si occupano di staminali mesenchimali. Tutto questo per cercare di sfatare un tema ancora tabù in Italia e porre le

continua a pag. 2

Si è svolto lo scorso 27 Aprile a Bologna il primo simposio internazionale italiano sulle terapie cellulari e malattie neurodegenerative.

Un incontro che ha visto seduti allo stesso tavolo biologi-ricercatori, clinici, famiglie con cari affetti da malattie rare neurodegenerative e numerosi ammalati delle stesse. Unico obiettivo, la ricerca di una cura per ammalati gravi affetti da malattie rare. Il **Professor Arnold Caplan**, esperto mondiale di cellule staminali mesenchimali, ha parlato della straordinarietà di tali cellule considerate erroneamente fino a pochi anni fa (prima dei suoi studi) cellule con carattere rigenerativo staminale, ma che invece sono risultate essere prive di tale specifica potenzialità. La **dr.ssa De Marchi**, che lavora presso il centro SLA dell'Università di Novara, centro di eccellenza per il trattamento di questa devastante malattia, ha portato alcuni risultati molto interessanti sulla sicurezza dell'utilizzazione di staminali neurali nel contesto di questa malattia neurodegenerativa. Inoltre, sono stati presentati studi di laboratorio di estremo interesse con l'utilizzo di staminali pluripotenti indotte. Sarebbe difficile spiegare in modo semplice quello che il **Professor Luciano Conti** dell'Università di Trento ci ha raccontato, ma certo l'attenzione è aumentata quando ha spiegato che queste cellule, prelevate dagli stessi ammalati, potranno essere utilizzate per capire anche la risposta o mancata risposta dei farmaci su di essi o essere modificate per correggere mutazioni geniche per poi essere espanse in laboratorio e inoculate nuovamente nell'ammalato. È stata poi la volta del **dr. Marco Onorati**, biologo dell'Università di Pisa, che ha collaborato su uno studio pubblicato

continua a pag. 2



segue da pag. 1

basi per aprire un dialogo istituzionale per la regolamentazione di terapie compassionevoli con l'utilizzo di tali cellule. Non è poi mancata l'attenzione e l'impegno in merito a tematiche legate al turismo, agli standard di cura, alla vita indipendente e alla battaglia per il riconoscimento della figura del Care giver. I nostri rappresentanti sono intervenuti a diversi incontri e riunioni ministeriali per far sentire anche la nostra voce e tutelare i diritti.

Inoltre, non sono mancate manifestazioni su tutto il territorio italiano per sensibilizzare e far conoscere la SMA, campagne solidali natalizie e pasquali di grande successo e eventi per raccogliere fondi per permetterci di finanziare la ricerca e sostenere i soci in difficoltà. Vi ricordo che anche la destinazione del vostro 5x1000 è per noi di vitale importanza per continuare a portare avanti la nostra missione.

Abbiamo tante idee e tanti progetti in cantiere, ma abbiamo bisogno del sostegno e del supporto di tutti voi soci e di chiunque altro vorrà diventare nostro volontario o sostenitore.

Per questo, ora più che mai, vi chiediamo di seguirci, donare e far conoscere ASAMSI su tutto il territorio, coinvolgendo le persone a voi care, gli amici, i colleghi o i conoscenti. Abbiamo bisogno di nuova linfa vitale per navigare nel mare del futuro. Solo davvero uniti potremo tagliare grandi traguardi che doneranno un sorriso a tutti.



di recente su Nature sulla scoperta di nuove staminali neuroepitaliali; del **dr. Daniele Bottai** (Università di Milano) sull'importanza del movimento nel contesto della degenerazione neuronale e del **dr. Edoardo Malfatti**, neurologo esperto in malattie neuromuscolari che lavora a Parigi, che ci ha spiegato cosa si intende per rigenerazione nel contesto delle malattie neuromuscolari. Non potevano poi mancare i risultati clinici e i video dei bimbi con SMA tipo I trattati a Brescia. Dopo il grande successo di questo evento che ha visto la partecipazione di oltre 200 persone, tra pazienti, parenti e addetti ai lavori, abbiamo avuto l'onore di un'intervista esclusiva con il **dr. Villanova** per capire meglio il progetto, approfondire aspetti emersi dal simposio e vedere quali saranno gli sviluppi futuri.

«Dott. Villanova, com'è nata l'idea del progetto "Stem Wars"?»

«Nasce dalla necessità di ampliare il nostro sguardo anche ad altri campi della ricerca sempre nell'intento di trovare una cura per voi tutti. Sono ormai 27 anni che corriamo dietro ai farmaci, lo facciamo perchè qualcuno ci ha fatto credere che questi rappresentino l'unica speranza di terapia nel contesto delle malattie neuromuscolari. Purtroppo, i risultati sono sotto gli occhi di tutti, scadenti o nulli e possibili, forse, nel futuro per un ristretto numero di pazienti. D'altra parte i farmaci non possono rigenerare i tessuti, al massimo possono cercare di preservare quello esistente, ma talvolta, quello che rimane è estremamente scadente.

Quindi, non c'è ombra di dubbio che il futuro dei nostri pazienti dovrà passare obbligatoriamente dalla rigenerazione di un tessuto ormai danneggiato nel tempo. Il passaggio attraverso trattamenti di tipo cellulare è - di conseguenza - un passaggio obbligato».



«Cosa ha spinto Lei e l'associazione Ruotaabile a organizzare questo convegno?»

«L'idea nasce dal fatto che occorre fornire informazioni corrette ai genitori. Nel contesto delle terapie cellulari c'è molta confusione. Questa porta i pazienti e le loro famiglie ad avere idee distorte su questo argomento con conseguenze imprevedibili. Ad esempio, quello di affidarsi in mani sbagliate. C'è anche da dire che l'assenza di informazioni create ad arte da chi non vuole che ne parli aumenta il clima di grande confusione. Il problema, come abbiamo avuto modo di ascoltare durante il simposio, nasce dal fatto che la natura ci ha fornito di armi straordinarie di cura, queste sono all'interno del nostro stesso organismo. Occorre solo studiarle e utilizzarle in modo adeguato. Chiaramente, non è semplice vendere un trattamento che già ci appartiene, allora, meglio evitare anche di parlarne. Come ha detto il Professor Caplan, ci sarà un probabile cambiamento di passo nel momento in cui qualcuno metterà in atto un piano per vendere anche ciò che ci appartiene.

Insomma si creerà un business anche su questo. Le terapie cellulari sono a tutti gli effetti dei trapianti ed è difficile trasformarli in farmaci. Un trapianto di midollo osseo con le sue staminali emopoietiche, metodica che ha salvato migliaia di ammalati con malattie del sangue, non si può certo vendere come non si può vendere un sacco di sangue per effettuare



una trasfusione. Lo si potrà fare il giorno in cui tutto sarà trasformato in farmaco».

«Con quale criterio ha scelto i relatori da invitare e perchè proprio loro?»

«Abbiamo scelto i relatori seguendo i loro curriculum vitae e sulla loro diversità di azione nel campo della ricerca cellulare. Durante il simposio abbiamo ascoltato idee diverse di studio nel contesto delle diversità cellulari anche in campo di staminali. A dir la verità avrei voluto che partecipasse anche qualche nome italiano "famoso" che leggiamo spesso sui quotidiani per questi argomenti, ma non hanno neppure risposto alle e-mail di invito. Sarà per la prossima volta».

«Il dr. Caplan, massimo esperto mondiale in cellule staminali, che cosa ha fatto emergere di nuovo che ancora non sapevamo?»

«Direi che il suo intervento è stato straordinario. Per decenni si è occupato di comprendere come alcune cellule staminali come le mesenchimali, diffuse in ogni angolo del nostro corpo, funzionino realmente. Le ha definite vere e proprie farmacie naturali. Al loro interno, una volta attivate dai periciti (cellule presenti attorno i vasi di tutto il nostro organismo), in seguito a un insulto di natura diversa, sono in grado di produrre sostanze che possono svolgere un'azione di protezione e di stimolo alla rigenerazione del tessuto dove operano. Non solo, possono avere un effetto di regolazione sul

CureSMA

sistema immunitario e di controllo del dolore».

«Cosa ci può dire di Brainstorm, la terapia sperimentale con staminali mesenchimali che stanno applicando in USA e Israele per il trattamento della SLA?»

«È un trial in atto in alcuni centri clinici e in fase 3 negli USA. Trattasi di un trattamento di staminali autologhe, cioè prelevate dallo stesso midollo osseo del paziente, purificate ed espanse in laboratorio e in seguito nuovamente infuse nello stesso paziente attraverso una via intratecale ed endovenosa. Questo progetto è nato da una company israeliana».

«In questo momento, qual è la reale situazione sulle terapie cellulari applicate a malattie neurodegenerative?»

«Purtroppo, molto scadente. Pochi investimenti. Ci sono alcuni studi in fase 3 sulla SLA, Parkinson in fase avanzata e sclerosi multipla. Nulla assoluto nel contesto delle malattie rare neuromuscolari».

«Perché tali terapie per patologie neuromuscolari sono ancora distanti dall'essere disponibili per tutti, soprattutto in Italia?»

«Perché la ricerca segue i soldi e se nessuno investe su questo campo di conseguenza nessuno lo studierà. Di certo non interessa alle case farmaceutiche, più legate ai brevetti dei farmaci che possono controllare in maniera molto più rigida. Occorrerebbero finanziamenti pubblici, ma con la crisi economica che c'è in giro vedo questa prospettiva estremamente difficile da realizzarsi».

«Lei vede nel corso dell'anno centinaia di pazienti. Cosa chiedono con maggior enfasi?»

«Di vivere meglio e subito e che non ci siano limiti nella ricerca solo per questioni di interessi personali di uno o dell'altro».

«La parola staminale evoca diverse sensazioni, a seconda del destinatario. Per i malati è sinonimo di speranza, per i professori è futuro della medicina e per le case farmaceutiche probabilmente è sinonimo di grosse perdite finanziarie. Secondo lei, si riuscirà mai a trovare una via che coniughi speranza e futuro e scavalchi gli ostacoli delle lobby farmaceutiche?»

«Come ho detto in precedenza devono trovare la via per fare del business anche con cellule del nostro corpo. Ci vuole qualche leggina ad hoc a livello Europeo, arriverà. Purtroppo, i tempi li



decideranno loro e per molti di voi affetti da malattie gravi e progressive questo è un lusso che spesso non potete permettervi».

«È soddisfatto del risultato che ha ottenuto il convegno o si aspettava altro?»

«Moltissimo. È solo il primo passo, ora ne occorreranno molti altri».

«Quali saranno i prossimi step?»

«Cercare di trovare una struttura universitaria con la quale iniziare a parlare di terapie cellulari e malattie rare. Le cellule mesenchimali sono quelle con potenzialità di trattamento molto più alto se confrontate con altre tipologie di staminali. Ci sono migliaia di studi sulla loro sicurezza, non un solo caso di sviluppo di tumore dalla loro infusione a differenza di quelle embrionali. Altro campo di estremo interesse è quello relativo alla legge sulle terapie compassionevoli. Quella attuale ha praticamente affossato qualsiasi forma di libertà di scelta di cura da parte anche dei medici».

«Ultima domanda da un milione di dollari: cosa si sente di promettere ai migliaia di ragazzi e famiglie che hanno riposto in lei una speranza di cura per il futuro?»

«Che noi abbiamo una mente libera, indipendente e che continueremo a batterci perché queste vie di trattamento vengano studiate e messe in atto anche nel contesto delle malattie rare. Cammino lungo, ma che noi vogliamo abbreviare e di molto».



Elisa Vavassori

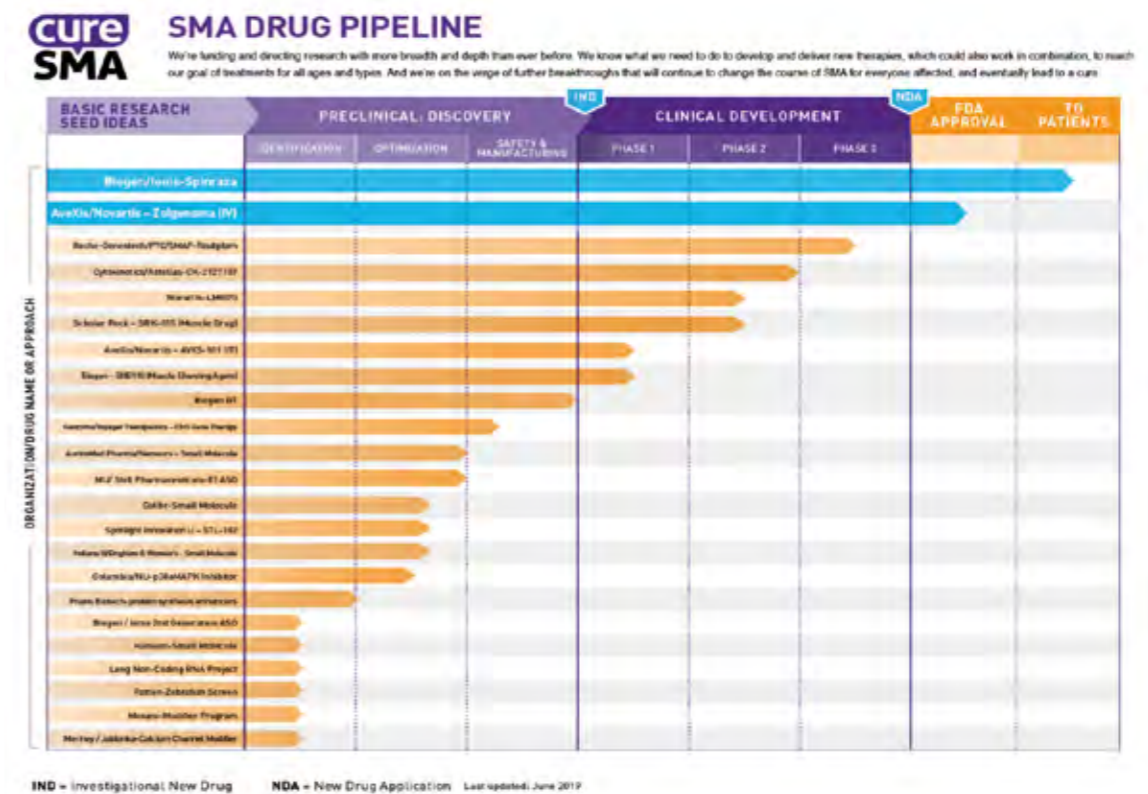
DAL 27 AL 29 GIUGNO SI È SVOLTO AD ANAHEIM (CA) L'ANNUALE CONGRESSO DI CURESMA DOVE SONO STATE ILLUSTRATE TUTTE LE NOVITÀ IN CAMPO DELLA RICERCA SULLA SMA. IN PARTICOLARE, È STATA AGGIORNATA LA TABELLA CHE EVIDENZIA IL PROGRESSO E LO STATO ATTUALE DI OGNI MOLECOLA.

Tra le molecole già approvate dall'FDA (ed EMA) troviamo:

1. **Nusinersen (Biogen)** un oligonucleotide antisense, somministrato per via intratecale, 5mL per iniezione. Come era stato evidenziato da precedenti studi su pazienti trattati, i miglioramenti clinici più significativi evidenziati con scale quali CHOP, Hammersmith e 6WMT sono riscontrabili nei bambini e più giovani. In uno studio condotto su 39 pazienti SMA adulti (sia tipo I, II e III) trattati con Nusinersen si è evidenziata una stabilizzazione del quadro.
2. **Zolgensma (AveXis)** il 24 Maggio l'FDA approva la terapia genica con Zolgensma, andando a sostituire l'SMN1 mancante. Questo trattamento viene effettuato per via endovenosa ed è indicato in pazienti con tutte le forme di SMA ma con una età inferiore o compresa ai 2 anni. Gli studi di AveXis stanno proseguendo al fine di capire la possibilità di applicare la terapia genica nei pazienti adulti, in particolar modo con una somministrazione intratecale.

Nelle molecole in fase di studio troviamo:

1. **Sunfish, Firefish (Roche)** volto ai pazienti SMA 2 e 3, i risultati hanno mostrato un aumento dell'SMN nel sangue durante il trattamento. A Dicembre verranno pubblicati i risultati finali dopo 2 anni di trattamento.
2. **Reldesemtiv (Cytokinetics)** un attivatore di troponina del muscolo, secondo gli studi clinici in fase 2, è stato evidenziato un aumento della resistenza muscolare con una minore affaticabilità. E' inoltre emerso un aumento del MEP (massima pressione espiratoria) rispetto al gruppo placebo. Gli effetti indesiderati sono stati simili tra coloro che assumevano il farmaco ed il placebo: mal di testa, nausea e costipazione.



RICERCA SMA: LE ULTIME NOVITÀ

A cura di Ilaria Mesaroli

RIPORTIAMO DI SEGUITO LE ALTRE PRINCIPALI NOTIZIE RELATIVE ALLA RICERCA SULLA SMA DEGLI ULTIMI SEI MESI.

APPROVAZIONE DELLA TERAPIA GENICA NEGLI STATI UNITI

Il 24 maggio 2019 la Food and Drug Administration statunitense ha approvato Zolgensma, la prima terapia genica per il trattamento di bambini con SMA di età inferiore ai due anni.

Per il mese di giugno è prevista l'approvazione da parte dell'Agenzia Europea del Farmaco (EMA), mentre per l'autorizzazione al commercio in Italia dovremo aspettare l'autorizzazione di AIFA probabilmente entro ottobre.

Zolgensma è una terapia genica che utilizza un vettore basato su un virus adeno-associato (AAV) che si rivolge alla causa della SMA. Il vettore fornisce una copia completamente funzionale del gene SMN umano nelle cellule bersaglio, i motoneuroni.

Una somministrazione endovenosa una tantum di Zolgensma porta all'espressione della proteina SMN nei motoneuroni dei pazienti, con conseguente miglioramento delle performance motorie e della sopravvivenza. Il dosaggio è determinato in base al peso dei singoli pazienti.

La sicurezza e l'efficacia di Zolgensma si basano su uno studio clinico in corso e uno studio clinico completato che hanno coinvolto un totale di 36 pazienti pediatrici con SMA ad insorgenza infantile di età compresa tra circa 2 settimane e 8 mesi all'ingresso nello studio.

La principale evidenza dell'efficacia del trattamento si basa sui risultati ottenuti dai 21 pazienti trattati con Zolgensma nello studio clinico attualmente in corso. In questo studio ci sono 19 pazienti rimanenti di età compresa tra 9,4 e 18,5 mesi; 13 di questi 19 pazienti hanno almeno 14 mesi di età.

Rispetto alla storia naturale dei pazienti con SMA ad esordio infantile, i pazienti trattati con Zolgensma hanno dimostrato un miglioramento significativo nella loro capacità di raggiungere tappe fonamen-

tali dello sviluppo (ad esempio il controllo della testa e la capacità di sedersi senza supporto).

Durante i due trial sono avvenuti due decessi. In una recente dichiarazione Novartis ha affermato che indagini preliminari hanno indicato che i due decessi sono stati causati da infezioni respiratorie severe seguite da complicazioni neurologiche. Sono ancora in attesa di risultati delle autopsie.

(Fonte: www.fda.gov - www.zolgensma.com - www.biospace.com)

RESI NOTI I DATI PRELIMINARI DI SUNFISH

Il farmaco RG7916 aumenta la produzione della proteina SMN nei pazienti con SMA 2 e 3. Questa evidenza è emersa dall'esame dei dati preliminari del trial di fase 2 Sunfish. Sunfish è uno studio in doppio cieco in due parti, controllato con placebo, che include pazienti con SMA2 e 3. La prima parte ha valutato la sicurezza, la tollerabilità, l'efficacia e il profilo farmacologico di diverse dosi di RG7916, somministrato per via orale in pazienti deambulanti e non deambulanti. La seconda parte arruola invece 150 pazienti non deambulanti per determinare la sicurezza e l'efficacia del dosaggio raccomandato selezionato nella parte 1.

Cinque gruppi di pazienti hanno ricevuto RG7916 per 28 giorni o più nella parte 1 di Sunfish.

Un'analisi preliminare ha mostrato un aumento, dipendente dall'esposizione, della proteina SMN. Tutte le dosi di RG7916 sono state ben tollerate, senza problemi di sicurezza legati al farmaco.

"Siamo entusiasti di segnalare che nei pazienti SMA il trattamento con RG7916 ha portato ad un aumento mediano di 2,5 volte della proteina SMN", ha dichiarato il dott. Stuart Peltz, Amministratore Delegato di PTC Therapeutics, in un comunicato stampa.

"L'aumento dei livelli di proteina SMN in tutto il corpo ha il potenziale di influenzare

ogni aspetto di questa patologia".

Lo sviluppo e la produzione di RG7916 fanno parte di uno sforzo congiunto tra PTC sTherapeutics, la multinazionale svizzera Roche e SMA Foundation. Nel novembre 2011 Roche ha ottenuto un'esclusiva licenza a livello mondiale sul programma PTC/SMA Foundation.

All'inizio di quest'anno, ad RG7916 è stato assegnato lo status di farmaco orfano con procedura accelerata da parte dell'FDA per il trattamento dei pazienti con SMA. Dott. Paolo Pisano - La ricerca contro la SMA - (Fonte: www.ricercasma.it)

AVEXIS INIZIA I TRIAL DI FASE 2-3

AveXis si appresta ad avviare un nuovo studio clinico con AVXS-101 per i pazienti con SMA1.

L'FDA ha autorizzato il trial, dopo che AveXis ha presentato le informazioni che l'agenzia aveva richiesto nel mese di maggio sul processo di produzione del farmaco. AveXis non ha precisato nel suo annuncio se il trial sia uno studio di fase 2 o di fase 3. L'azienda ha appena completato un trial di fase 1 con AVXS-101.

"Siamo lieti di aver raggiunto questo risultato dopo una revisione approfondita da parte della FDA delle voluminose informazioni fornite nel mese di maggio", ha detto Sean Nolan, Presidente e Amministratore Delegato di AveXis, in un comunicato stampa. La società è "desiderosa di avviare il trial con AVXS-101 sui pazienti SMA1 negli Stati Uniti" con un trattamento prodotto mediante il suo processo di produzione certificato.

Il nuovo trial, chiamato STRIVE, sarà uno studio aperto, a gruppo singolo e a dose unica, multicentrico. Valuterà la sicurezza e l'efficacia di una dose unica di AVXS-101 somministrata per via endovenosa o direttamente nella circolazione sanguigna.

I ricercatori somministreranno la dose individuata nello studio di fase 1 e ampia-

mente testata su modello murino di SMA. AveXis prevede di arruolare almeno 15 pazienti con SMA1 di età inferiore ai 6 mesi. I pazienti dovranno disporre di una o due copie del gene SMN2, con delezione del gene SMN1 o mutazioni puntiformi in entrambi gli alleli. Dopo aver somministrato AVXS-101 ai primi tre pazienti, i ricercatori attenderanno almeno quattro settimane per valutare la sicurezza del trattamento e cercare i primi segnali di efficacia prima di trattare il gruppo successivo. Uno degli obiettivi primari sarà vedere se può aiutare un neonato di 18 mesi a sedersi senza aiuto per 30 secondi. O ancora di aiutarlo a raggiungere l'età di 14 mesi.

Un obiettivo secondario sarà invece vedere se può aiutare i pazienti a non richiedere supporti alimentari, tollerare liquidi e mantenere il peso. O ancora quello di aiutare a sospendere il supporto ventilatorio a 18 mesi. Il trial sarà condotto in 16 centri negli Stati Uniti. AveXis e FDA stanno continuando a cooperare; attualmente stanno discutendo sul dosaggio somministrato per via intratecale in una sperimentazione prevista per i pazienti con SMA 2.

Aggiornamenti su questo studio sono previsti verso la fine dell'anno. Dott. Paolo Pisano - La ricerca contro la SMA - (Fonte: www.ricercasma.it)

UNA NUOVA MOLECOLA MIGLIORA I RISULTATI CLINICI SU MODELLI MURINI

Un nuovo composto molecolare, chiamato LDN-2014, aumenta e stabilizza i livelli dell'SMN.

Lo studio "Intraperitoneal delivery of a novel drug-like compound improves disease severity in severe and intermediate mouse models of Spinal Muscular Atrophy" è stato pubblicato sulla rivista Scientific Reports.

In primo luogo hanno osservato che gli animali con forme gravi di SMA trattati con LDN-2014 avevano livelli più elevati di proteina SMN nel cervello e nel midollo spinale rispetto ai topi trattati con una soluzione di veicolo (controllo). Tuttavia i livelli di SMN erano identici nei muscoli degli animali trattati con LDN-2014- e in quelli del gruppo di controllo. Inoltre i topi trattati con LDN-2014 sono sopravvissuti due volte più a lungo di quelli trattati con la soluzione di veicolo e la loro vita è stata più lunga del 30% rispetto agli animali non trattati.

Questo aumento della sopravvivenza è stato anche accompagnato da un significativo aumento di peso e da un notevole miglioramento della forza muscolare e della funzione motoria.

Nei topi con forme più lievi di SMA, LDN-

2014 ha avuto effetti simili, aumentando la loro sopravvivenza, durata della vita e peso corporeo, e migliorando la postura generale e la forza muscolare.

"Sulla base di questi studi e dei nostri risultati, proponiamo che la stabilizzazione post-traduzionale della proteina SMN possa mostrare un maggior beneficio associando nei modelli di topi SMA meno gravi, che potrebbero trarre beneficio associando in combinazione questo trattamento con modificatori dello splicing e oligonucleotidi antisense per prolungare il tempo tra i trattamenti", hanno scritto i ricercatori. "In sintesi, concludiamo che LDN-2014 è biologicamente attivo in due importanti modelli animali di SMA, e sebbene limitato dalla sua solubilità, amplifica l'efficacia delle molecole attualmente disponibili per la SMA attraverso un meccanismo distinto", hanno concluso.

(Fonte: smanewstoday.com)

PROMETTENTI I PRIMI DATI DI FASE I DEL FARMACO SRK-015

Cambridge (USA) - La casa farmaceutica Scholar Rock ha recentemente annunciato i positivi risultati preliminari ottenuti nello studio clinico di Fase I che è tuttora in corso per valutare, in adulti sani volontari, la sicurezza di dosi ascendenti, sia singole che multiple, della molecola sperimentale SRK-015, un inibitore altamente specifico della miostatina. In base a questi primi dati, i partecipanti allo studio hanno mostrato una buona tolleranza alla somministrazione di SRK-015, senza apparenti problemi di sicurezza, mentre il farmaco ha evidenziato robusti e sostenuti effetti sulle concentrazioni seriche della miostatina inattiva (latente), effetti che pongono le basi per la sperimentazione di questo approccio terapeutico in pazienti con SMA.

La molecola SRK-015 si pone come un potenziale candidato per il trattamento di pazienti con SMA in quanto inibitore selettivo dell'attivazione della miostatina. La miostatina è espressa primariamente dalle cellule muscolari scheletriche e l'assenza del gene che la codifica è associata ad un aumento di massa e forza muscolare in molte specie animali. Scholar Rock ritiene quindi che inibendo l'attivazione della miostatina attraverso la somministrazione di SRK-015 sia possibile promuovere un aumento clinicamente significativo della massa e della forza muscolare, potenzialmente utili ai pazienti con SMA.

Lo studio clinico di Fase I randomizzato, in doppio cieco e controllato con placebo, è stato realizzato allo scopo principale di valutare la sicurezza e la tollerabilità del farmaco e per ottenere informazioni sulla dose da utilizzare per il successivo

trial di Fase II.

Per questo motivo, la sperimentazione è stata condotta utilizzando due modalità di dosaggio differenti: una singola dose ascendente (SAD) e dosi multiple ascendenti (MAD).

I risultati completi del trial di Fase I verranno presentati quest'anno, in occasione di importanti conferenze medicoscientifiche. Dalle analisi finora effettuate si è potuto osservare come, nello studio, SRK-015 sia stato ben tollerato dai partecipanti, senza la comparsa di tossicità che abbiano reso necessario diminuire le dosi del farmaco, anche nel caso del dosaggio più elevato testato.

Nella sperimentazione non sono stati registrati decessi, interruzioni di studio dovute ad eventi avversi (AE) correlati al trattamento o reazioni di ipersensibilità. È stato osservato un unico evento avverso grave (pancreatite indotta da calcoli biliari) che è stato giudicato come non correlato all'impiego di SRK-015.

Le analisi di farmacodinamica hanno rivelato che, dopo la somministrazione di una singola dose, i livelli della miostatina latente sono incrementati significativamente rispetto al basale, confermando il coinvolgimento della proteina target. Al contrario, non è stato osservato alcun cambiamento significativo nelle concentrazioni di miostatina latente nei soggetti che hanno ricevuto il placebo.

"Questi dati preliminari di Fase I forniscono un'iniziale prova del potenziale farmacologico di SRK-015, e più ampiamente dell'approccio terapeutico di Scholar Rock nel mirare specificamente alle forme latenti dei fattori di crescita", ha annunciato Nagesh Mahanthappa, Ph.D, presidente e CEO di Scholar Rock. "Tramite il nostro impegno nella ricerca, abbiamo costruito un robusto programma di modulatori altamente specifici dei fattori di crescita applicabili a vaste aree terapeutiche e stiamo lavorando con entusiasmo per far progredire queste potenziali terapie e poterle mettere al servizio di pazienti con bisogni medici non soddisfatti".

Sulla base dei positivi dati di Fase I, Scholar Rock pianifica di iniziare, entro il primo trimestre di quest'anno, una sperimentazione clinica di Fase II che valuterà la sicurezza e l'efficacia di SRK-015 in pazienti con SMA di tipo 2 e 3. Per il trial è previsto l'arruolamento di un totale di 50-60 pazienti, che riceveranno SRK-015, somministrato una volta ogni 4 settimane, sia in monoterapia che in aggiunta a un trattamento approvato mirato alla proteina SMN.

(Fonte: www.osservatoriomalattie.it)

Daniela e l'APP che l'aiuta a scrivere romanzi

DANIELA CI RACCONTA COME, GRAZIE A UN'APP, HA POTUTO CONTINUARE A COLTIVARE LA SUA PASSIONE DI SCRITTRICE.

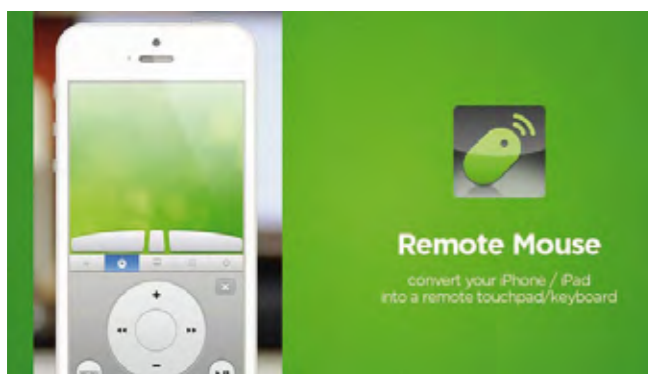
“Quando ho scritto **“Il volto dello specchio”**, il primo romanzo, dieci anni fa, non avevo nessuna difficoltà a digitare al computer. Paradossalmente ero tra le più veloci a scuola durante le ore di informatica. Usavo già allora una sola mano ma andava come un treno! Anche per il secondo e il terzo thriller, **“Il veleno dei santi”** e **“Osessione”** stesi dopo un anno, non ho avuto nessun pensiero. Scrivevo felice, era diventato il mio lavoro. Scrivere mi attivava tutti i sensi e le dita che volavano su i tasti, erano quelle che mi davano più emozione. “Sentivo” la tastiera parte di qualcosa che “costruiva” le mie parole e i miei pensieri. Non saprei dare giustizia all'emozione che provavo semplicemente toccando i tasti, anche se era solo plastica. Quando ho iniziato il quarto romanzo, un mio amico mi ha parlato di “Dragon NaturallySpeaking”. Era fichissimo poter dettare ciò che pensavo e vedere le frasi completarsi sullo schermo. Ma la mia mano ancora funzionava più che bene e quel programma geniale mi dava l'aria di farmi perdere tempo. Non teneva il passo con le mie idee, era lento, non era preciso al 100% e mi sentivo limitata. Così, ho messo il microfono in un cassetto e ho finito **“Liebestraume”** a mano. Per qualche anno ho avuto il blocco dello scrittore e ho perso di vista tutte le nuove tecnologie e supporti informatici. Dentro di me sapevo che il mio blocco era dovuto al fatto che se mi fossi messa davanti al computer per iniziare un nuovo lavoro, avrei dovuto fare i conti con la frustrazione di non poter scrivere perché la mia mano non volava più sui tasti. Ho combattuto molto contro questa resistenza. Non riuscivo ad accettare di scrivere in modo diverso da come avevo sempre fatto. Volevo digitare, volevo SCRIVERE. Una notte ho sognato la bozza di un nuovo thriller e la mattina dopo mi sono messa davanti al computer dopo 3 anni. Ho valutato quanto la mia mano potesse ancora fare e ho dovuto scartare subito l'opzione di usare la tastiera standard. Era troppo ampia. Ho cominciato a chiedere consigli agli amici con le mie stesse difficoltà.

Convenivano tutti che Dragon fosse la soluzione migliore ma non mi arrendevo. Mi dicevo che se l'uomo era andato sulla Luna, aveva sicuramente inventato qualcosa che potesse essere perfetta per permettermi di scrivere. Ne ero sicura. Nessuno capiva tanta testardaggine quando potevo semplicemente parlare. Una sera, quando proprio non ci pensavo, arriva il messaggio di una amica con il link per scaricare un'app. Non la ringrazierò mai abbastanza per avermi fatto conoscere “Remote mouse”. Questa semplice, nonché gratuita app, scaricandola sia nel pc che nello smartphone, permette di usare la tastiera del cellulare per scrivere, come fosse una

tastiera standard. L'app permette anche l'opzione mouse e quando si è stanchi, offre anche l'opportunità di dettare. È molto veloce ed estremamente preciso. Insomma, si hai il completo controllo del computer dal proprio cellulare. Forse per qualcuno è roba vecchia, ma per me è una cosa geniale! Era esattamente quello che cercavo. So che un giorno non basterà più.

Il Dragon, nella sua ultima versione aggiornata, è tra i programmi installati, il microfono è nel cassetto ma, per ora aspetteranno ancora! Con questo voglio dire che **per vivere in modo sereno bisogna accettare i propri limiti, accettare di farsi aiutare, ma cercare sempre un modo di ostacolare ciò che ci ostacola”**.

Daniela Iannone



Michela Pollicella

Una stoccata per Giada

GIADA, L'UNICA RAGAZZA CON SMA A PRATICARE LA SCHERMA.

Qualche mese fa è arrivato un messaggio privato sulla pagina Facebook di ASAMSI: *“Buon pomeriggio, sono Giada affetta da SMA, uno dei casi un po' particolari della malattia, l'unica in Italia che pratica scherma con questa patologia”*. Ho subito voluto conoscerla, un po' perché mi piace fare amicizia con nuove persone, un po' perché ero curiosa di questo caso particolare, un po' perché sono affascinata dalla scherma. Così ho conosciuto una splendida ragazza, piena di vitalità e intraprendenza. La sua non è la classica atrofia muscolare spinale che tutti noi conosciamo, quella con delezione in omozigosi del gene SMN1: la sua mutazione è su un altro gene e anche il quadro clinico risulta un pochino diverso, seppur sempre di SMA si tratti. In realtà ho scoperto che esistono altre 18 mutazioni poco conosciute che portano a una condizione definita atrofia muscolare spinale!

Tornando a Giada: abbiamo iniziato a chattare e infine le ho chiesto di rilasciarmi un'intervista che vi propongo in versione integrale. **Sabato 8 giugno Giada ha partecipato ad una gara di qualificazione agli assoluti a Palermo.** Successivamente inizieranno le qualifiche per le Paralimpiadi e sono sicura che presto la vedremo gareggiare assieme ai più grandi atleti.



Sono Giada, ho 20 anni e sono affetta da SMA distale. Quando mi fu diagnosticata i medici mi dissero che era uno dei casi particolari che non rientrava tra le canoniche SMA; dissero ai miei genitori che la probabilità di fare il Superenalotto era più bassa rispetto a quella diagnosi. Ero piccola e non mi rendevo molto conto di cosa volesse dire quella sigla; dentro di me non cambiava niente, però quelle parole le ricordo benissimo, mi sono rimaste nella mente.

Un anno e mezzo fa ho deciso di dare una svolta alla mia vita. Giravo per Pisa, una città non lontanissima ma nemmeno vicina da casa mia (una quarantina di minuti in auto). Si avvicina un signore chiedendomi se facevo sport: risposi di no ma con un velo di malinconia perché lo sport è sempre stato il mio sogno. Lui mi chiese se volevo provare la scherma proprio vicino Pisa. Quella disciplina mi aveva sempre affascinato e così decisi di mettermi in gioco: provai dopo pochi giorni e decisi di continuare! Era un enorme sacrificio per me e per la mia famiglia, ne ero consapevole e tutt'ora lo è, però volevo realizzare il mio sogno di gareggiare. I primi assalti furono subito emozionanti, poi per me era un periodo un po' complicato: iniziavo a realizzare quello che poteva essere quella “sigla”, ma non mi sono mai abbattuta. Da quel periodo ho capito che dovevo vivere giorno per giorno e mi dovevo ritenere fortunata perché stavo lottando per realizzare il mio sogno. Ero l'unica atleta a livello italiano affetta da SMA. La mia prima gara è stata ad Ancona a maggio dello scorso anno: quella gara a livello di risultato non andò benissimo ma era normale, ma è stata importantissima per fissare i miei obiettivi per la stagione successiva. Nell'ottobre del 2018 ho

sostenuto la prima gara di stagione a Busto Arsizio: ero carica come una molla, non vedevo l'ora di salire in pedana. La gara iniziò malissimo ma poi piano piano la ruota iniziò a girare e nella mia testa è scattato qualcosa che mi diceva di lasciarmi andare: iniziai a liberarmi la mente, anche se volevo dimostrare quanto valevo alle persone che mi vogliono bene e volevo ripagare me stessa e la mia famiglia dei sacrifici... Volevo la medaglia! Nell'assalto in cui mi sono giocata il bronzo ho dato tutta me stessa: ricordo che sul 14-10 sotto la maschera scendevano le lacrime. Mi sentivo vicina all'obiettivo che mi ero fissata per la gara, e la quindicesima stoccata è stata un turbine di emozioni che solo chi le prova può sapere come ci si sente. Avevo deciso che il mio periodo di domande si doveva concludere con qualcosa di bello che rispondesse almeno alla metà di tutte le mie domande. Adesso si apre un periodo diverso fatto di duro lavoro e di obiettivi. E forse quel giorno quando ho trovato maschera e spada ho fatto il mio Superenalotto, perché nello sport sono cresciuta tanto, ho preso coscienza di me ed ho scoperto lati che nemmeno conoscevo, ancora più convinta che non mi voglio proprio fermare, stoccata dopo stoccata.

Giada

LEGAMBIENTE e ecospiagge per tutti

UN RESOCONTO DELL'INCONTRO E ALCUNE RIFLESSIONI.

“Spiagge ecosostenibili per tutti” è stato un evento promosso da Legambiente per parlare di turismo accessibile con particolare attenzione agli stabilimenti balneari. L'incontro, che si è tenuto il 18 aprile presso la Presidenza del Consiglio dei Ministri, ha visto la partecipazione della nostra referente Daniela Iannone. Questo è un suo resoconto dell'evento.

“La giornata è cominciata con un bel sole primaverile e già si sentiva l'atmosfera dell'incontro che aveva come argomento il mare. Alla riunione indetta da Legambiente il primo a interve-

nire è stato il sottosegretario Vincenzo Zoccano, delegato per la famiglia e la disabilità. Lui essendo non vedente, ha fatto giustamente notare che la disabilità molto spesso se non sempre, viene concepita come motoria. L'accessibilità alle spiagge è rivolta anche alle disabilità sensoriali e sono state fatte proposte anche per percorsi guidati e scritte in braille sugli ombrelloni.

Poi è intervenuta la responsabile delle associazioni che hanno aderito all'iniziativa che ha mostrato numeri e statistiche dei disabili interessati al turismo. L'importanza di questi dati sono fondamentali per far “convertire” quegli imprenditori che non ri-

tengono remunerativo l'accesso facilitato. Mentre hanno spiegato che un disabile si sposta con amici e parenti e se la struttura non garantisce comfort per tutti, tutti cambiano struttura.

È intervenuto il sindaco di Bibione. La sua aspirazione è di renderne tutto il contesto ambientale accessibile. Non basta togliere le barriere architettoniche in spiaggia se poi gli alberghi, i marciapiedi e i servizi, non sono ugualmente accessibili.

Si parla di togliere a livello culturale, la concezione che le cose per i disabili, siano “diverse”. Rendere accessibile tutto per tutti. Senza dimenticare l'estetica. Perché il disabile non vuole un ambiente ospedaliero, ma vivere al meglio i propri giorni di vacanza con agi, comfort ed estetica.

Accessibilità alle spiagge significa anche respirare aria di mare e non fumo passivo, quindi da quest'anno molte spiagge vietano di fumare in spiaggia. Poi è intervenuto il consigliere comunale di San Benedetto del Tronto.

Anche per loro l'obiettivo non è di separare i disabili dai normodotati, ma di fare cose che vadano bene per tutti. Per esempio non bagni pubblici divisi, dove quello per i disabili ha il simbolo della sedia a rotelle perché è più grande, ma fare



un unico bagno grande. Siamo invitati a San Benedetto del Tronto per parlare con il presidente degli albergatori nel caso volessimo fare delle proposte. Ho trovato tutto davvero ammirevole. È stato bellissimo sapere che ci sono persone con questa mentalità”.

Dalle parole di Daniela Iannone si evince chiaramente come l'incontro abbia affrontato il difficile tema dell'inclusione e nella fattispecie, come una struttura balneare possa diventare “aperta a tutti” senza distinzione di esigenze, o peggio ancora finire per ghettizzare i diversi bisogni. Sono convinta si possa far tanto su questo tema, la maggior parte delle strutture balneari a oggi possiede passerelle per potersi spostare agevolmente anche in spiaggia con carrozzine manuali e/o elettroniche e sedie Job per poter godere dell'emozione di farsi un bagno nell'acqua del mare.

Purtroppo però, esistono realtà di patologie altamente invalidanti, si pensi ad esempio a una SMA con ventilazione continuativa, che non permetterebbero di farsi un giro in spiaggia tanto facilmente. Ed ecco che dall'idea di Gaetano Fuso, un giovane affetto da SLA, nel 2014 è nata l'associazione IO POSSO.

Come primo grande traguardo, hanno realizzato «La Terrazza “Tutti al mare!”», un accesso attrezzato altamente sulla costa salentina e per l'esattezza a San Foca (Marina di Meledugno).

Rappresenta un unicum in Italia per la presenza di un box infermieristico e di personale addetto all'assistenza (OSS, infermieri, bagnino e coordinatori della struttura) che permettono agli ospiti e ai loro familiari di trascorrere una giornata al mare in pieno relax e sicurezza. Si avvale inoltre di postazioni attrezzate confortevoli e ausili per la balneazione per rispondere alle diverse esigenze degli ospiti.

L'accesso è situato vicino ad altri servizi e attrattive turistiche che rendono completo e piacevole il soggiorno degli ospiti e dei loro cari, concedendo a tutti indistintamente di poter godere delle splendide acque cristalline e della costa mozzafiato che vantano il riconoscimento internazionale come Bandiera Blu (FEE) e le 5 vele di Legambiente.

Grandi abbattimenti di barriere si sono raggiunti in questi ultimi anni, e simili realtà ne sono un esempio lampante; ma sicuramente l'intenzione di proseguire verso l'appianamento del concetto di “diverse esigenze” ferve nell'aria e sono convinta che porterà solo ad altri splendidi traguardi.





Alessandra Contu

UN OSPEDALE CHIAMATO “CASA”

| ALESSANDRA CI RACCONTA LA SUA ESPERIENZA ALL'OSPEDALE BINAGHI DI CAGLIARI.

È una grande soddisfazione poter vedere pubblicato sul sito Asamsi che il farmaco Spinraza è arrivato anche in Sardegna, non solo per i piccini ma anche per noi adulti.

Mentre noi adulti sardi ci accingevamo a cercare centri fuori dall'isola che ci accogliessero, qui, a Cagliari, giovani e meravigliosi medici si battevano per darci una speranza.

Il reparto Centro sclerosi multipla dell'Ospedale Binaghi di Cagliari, centro regionale per la diagnosi e cura della sclerosi multipla, si occupa principalmente delle malattie demielinizzanti del Sistema nervoso centrale (prevalentemente Sclerosi multipla) e del sistema nervoso periferico (neuropatie infiammatorie ed ereditarie) e malattie neuromuscolari. Quando sono stata chiamata dalla Neurologa Dott.ssa Rachele Piras (a cui ho fatto avere il mio nominativo) mi è sembrato di vivere un sogno. Io, Alessandra, potevo avere una speranza. Ciò che mi ha colpita maggiormente è stata la telefonata lunga e informale che, grazie al cielo, ha avuto effetto calmante. Ero molto intimorita perché sapevo benissimo che le possibilità di poter



accedere alla tipologia di somministrazione del farmaco erano minime vista la mia scoliosi. Lei mi disse subito “l'importante è iniziare poi le strade per ottenere quello che ci serve le percorreremo tutte, tu devi solo essere finalmente e nuovamente seguita!” Avevo già fatto dei controlli 10 anni fa in altri centri ma, sinceramente, quello che ho scoperto il 7 settembre 2018 al nostro primo appuntamento è stata una grande ed efficiente famiglia. Non è un reparto classico, freddo e tipico ospedaliero. È qualcosa che ti fa dire “ritornare non fa paura”. La struttura, dotata di 4 posti letto, erogava fino ad ottobre le proprie prestazioni in regime di ricovero, ora purtroppo solo in regime di Day Hospital e, ovviamente, in regime ambulatoriale, nel cui ambito gestiscono gli ambulatori di malattie demielinizzanti del Sistema nervoso centrale e periferico, malattie neuromuscolari, la Neurofisiologia, il laboratorio di neuroimmunologia e il laboratorio di neurogenetica.

Lì dentro non sei un numero, sei una persona che può essere se stessa e che tutti comprendono. Durante la visita neurologica la Dott.ssa Rachele Piras e la Dott.ssa Maria Antonietta Maioli sono riuscite a farmi scoprire quanto ancora potesse dare il mio fisico.

Per molti non vorrà dire niente ma per me, scoprire di poter ancora sollevare 200gr di peso o, riuscire a muovere un braccio leggermente di più perché loro mi incoraggiavano e non mi dicevano “ti aiuto” ha significato molto.

Oltre i Day Hospital, sono stata ricoverata 4 giorni nei quali sono stati programmati una serie di controlli. Efficienza unica, ogni paziente viene accompagnato, accudito, riportato in reparto.

È un reparto dove la sofferenza dei pazienti e dei loro familiari, purtroppo è tangibile.

Molti di noi sono allo stremo delle proprie forze e hanno la necessità di venire accolti e coccolati così come i familiari hanno bisogno di essere rassicurati e assistiti forse ancor più dei pazienti stessi.

Quando rientri a casa e sai che la tua dott.ssa è pronta a rispondere alle tue domande anche per messaggio, quando sai che se lei è in ferie e hai bisogno, altri meravigliosi medici ti ascolteranno e accudiranno nel momento di urgenza, puoi dire che Spinraza o no, hai trovato il posto giusto per riprendere a vivere.

Spinraza è ancora lontana, purtroppo ho trascurato il mio fisico e in questo momento la Dott.ssa Piras, e tutti i suoi colleghi, sta concentrando tutto sul renderlo forte per poter valutare un'infusione con procedura guidata.

Mi ha spiegato tutto, quando e se il mio fisico riprenderà ad essere ciò che era uno o due anni fa, valuteremo insieme il da farsi. La differenza con tutti gli altri medici che mi hanno “vista” è che (sarò ripetitiva) non siamo un numero. Siamo persone che vengono ascoltate ed è da lì che parte tutto il processo terapeutico.

PORTARE LA SMA NELLE SCUOLE

| L'ESPERIENZA DI ALESSANDRA, REFERENTE ASAMSI SARDEGNA.

Se v'è per l'umanità una speranza di salvezza e di aiuto, questo aiuto non potrà venire che dal bambino, perché in lui si costruisce l'uomo. (M. Montessori)

A volte penso di aver sbagliato laurea.

Guardo il tg, sento storie di bullismo, di genitori che picchiano gli insegnanti, di insegnanti che maltrattano bambini (anziani e disabili) e mi chiedo il perché di tutta questa violenza nella vita del dono più prezioso che abbiamo: i bambini.

“Devi fare la maestra”, mi dicevano ma, io ho sempre saputo che insegnare a leggere e a scrivere non era nel mio percorso lavorativo, tantomeno di vita.

Poi, nel 2011, ho scritto un libro, in tanti lo hanno letto ed alcuni insegnanti delle scuole medie inferiori mi hanno invitata nelle loro classi per parlare con i ragazzi. È stata un'esperienza

meravigliosa che ripeterei ogni giorno. E così ho pensato di ripeterla anche nelle scuole primarie perché, da fedele montessoriana, sono fermamente convinta che solo imparando dai bambini possiamo contribuire a costruire un mondo pieno di uomini e donne saggi e giusti. Non ho sbagliato laurea, ho solo capito in ritardo chi è l'insegnante e chi l'alunno.

Ho deciso di portare la SMA nelle scuole, ho pensato che mettere a disposizione dei bambini la mia diversità mi avrebbe aiutata a capire meglio dove l'adulto sbaglia nell'approcciare il bambino con la diversità. Dialogare con i bambini mi ha permesso di comprendere quanto l'adulto ne sottovaluti l'intelligenza.

Focalizzandoci sul creargli una vita perfetta e in apparenza senza pericoli, ci dimentichiamo di ascoltarli, ascoltarli vera-

mente. Molto spesso vedo genitori che impediscono ai loro figli di fermarmi per strada convinti che a me possa dar fastidio. Non comprendono che questo è un loro pregiudizio sulla diversità, è un messaggio che il loro figlio assorbe come un qualcosa di sbagliato.

Non colpevolizzo i genitori, non tutti almeno, mi rendo conto che spesso non si sa quale comportamento sia giusto o sbagliato. È da qui però che iniziano a nascere le prime situazioni

di bullismo...dal non educare alla diversità...di qualunque genere essa sia (non solo disabilità).

Grazie alla 3ª dell'Istituto Comprensivo Pietro Allori (plesso via Rona, Iglesias) per avermi accolta e insegnato a parlare ma soprattutto per avermi insegnato ad ascoltare.

Le loro domande sono state ossigeno per me. Mi auguro che i loro meravigliosi insegnanti abbiano la fortuna di avere altri alunni come così: veri e puri...



5x1000... UN GESTO GRATUITO DI GRANDE VALORE

ANCHE PER IL 2019 VI CHIEDIAMO DI SOSTENERE ASAMSI CON IL 5X1000 DELLA DICHIARAZIONE DEI REDDITI

Caro sostenitore, come sicuramente saprai, il 5 per mille è una quota dell'imposta IRPEF che lo Stato italiano ripartisce per dare sostegno agli enti che svolgono attività socialmente rilevanti come le associazioni non profit. ASAMSI rientra tra le associazioni destinatarie in quanto è iscritta nell'elenco dell'Agenzia delle Entrate nella categoria "organizzazioni non lucrative di utilità sociale" (onlus).

Il 5 per mille non costituisce un aggravio a tuo carico in quanto è una quota che già paghi allo Stato; inoltre è una scelta indipendente da quella dell'8 per mille (che invece puoi fare o no a tua discrezione). Quando effettuerai la dichiarazione dei redditi ricordati di apporre la tua firma nell'apposito modello indicando il nostro codice fiscale 03953480377. In questo modo il tuo 5 per mille sarà specificatamente destinato a ASAMSI e non solo: con la tua firma contribuirai a farci avere una quota del 5 per mille di tutti quei cittadini che non hanno indicato alcun codice fiscale.

Ma se vuoi aiutarci puoi fare di più. Per far conoscere la realtà di questa Associazione abbiamo pensato di coinvolgerci in una campagna di sensibilizzazione: contattaci all'indirizzo info@asamsi.org e richiedi il materiale informativo da divulgare ai tuoi amici e conoscenti. Il ricavato sarà interamente impiegato per agevolare le persone affette da SMA e per realizzare i progetti associativi, consultabili sul nostro sito. È un piccolo gesto che a te non costa niente, ma per noi vale molto: dona il tuo 5 per mille a ASAMSI! Grazie per il tuo supporto!

Il Direttivo di ASAMSI

notizie in pillole
da ASAMSI

Elisa Vavassori

RESTIAMO IN CONTATTO

PER TUTTI QUELLI CHE VOGLIONO COMUNICARE CON LA REDAZIONE DELLO STORICO NOTIZIARIO ASAMSI È DISPONIBILE UN INDIRIZZO MAIL DEDICATO.

Chiunque può interagire con il direttore editoriale e la redazione, proporre storie, articoli, segnalare eventi o suggerire miglioramenti mandando una mail a: redazione@asamsi.org.

Questo nuovo canale di comunicazione speriamo possa essere un passo in più per rendere i nostri soci e simpatizzanti sempre più attivi e al centro della vita dell'associazione.

FORZA ALLORA, COSA ASPETTATE??? CONTATTATECI!

DONA UNA SPERANZA ANCHE NEI MOMENTI SPECIALI

CON LE BOMBONIERE SOLIDALI DI ASAMSI NON SOLO FAI UN GESTO NOBILE E AIUTI LA RICERCA, MA REGALI UN SORRISO A UN BIMBO AFFETTO DA SMA.

Ogni occasione che merita di essere ricordata è sempre accompagnata da qualcosa che può durare per sempre. Per questo motivo, dal Battesimo al Matrimonio, passando dalla Prima Comunione alla Laurea, siamo sempre alla ricerca di un piccolo ma significativo pensiero da regalare ad amici e parenti per rendere eterno quel momento di gioia. La bomboniera.

Se poi pensando a queste giornate vogliamo fare anche qualcosa per gli altri, la nostra scelta ricade sulla bomboniera solidale.

Scegliendo le nostre bomboniere solidali, farai sicuramente un gradito omaggio ai tuoi invitati e aiuterai concretamente ASAMSI.

Scegliendo di regalare le nostre bomboniere benefiche, la tua festa sarà davvero indimenticabile per te, per chi le riceve e per ASAMSI.

Le donazioni a ASAMSI sono deducibili fiscalmente.

Per informazioni e ordini puoi scrivere all'indirizzo: ideesolidali@asamsi.org oppure telefonare allo 050-53.00.22.

DAI VALORE AL TUO TEMPO AIUTACI A SCONFIGGERE LA SMA

PER TUTTI I SOCI E SIMPATIZZANTI DI ASAMSI È APERTA LA POSSIBILITÀ DI DIVENTARE NOSTRI VOLONTARI PER SENSIBILIZZARE E RACCOGLIERE FONDI CONTRO LA SMA.

Chiunque fosse interessato ad aiutarci nella diffusione della conoscenza della SMA e prodigarsi organizzando banchetti, eventi, spettacoli o raccolte fondi PRO ASAMSI, non esiti a contattarci all'indirizzo mail info@asamsi.org.

Il nostro staff vi supporterà nelle vostre idee mettendo a disposizione materiale informativo, gadget e supporto logistico con l'aiuto dei referenti regionali sparsi sul territorio nazionale.

"SCENDI IN CAMPO ANCHE TU, DAI VALORE AL TUO TEMPO", aiutaci a combattere la Sma.

Perché è importante il contributo di tutti e come diceva Madre Teresa di Calcutta

"Quello che noi facciamo è solo una goccia nell'oceano, ma se non lo facessimo l'oceano avrebbe una goccia in meno."



UN PASSO INSIEME PER LA SMA



asamsi
associazione per lo studio delle
atrofie muscolari spinali infantili

sostienici

Invia il tuo contributo (deducibile fiscalmente) con un versamento su:

c/c Postale: n. 14658405

intestato a: Associazione Studio Atrofie Muscolari Spinali
Infantili (onlus)

c/c Bancario IBAN: IT33K0200823708000003179412 (UniCredit)

intestato a: ASAMSI



**Aiuta la ricerca
con il tuo**

5x1000

codice fiscale: 03953480377